新闻稿

引正基因首个体内基因组编辑药物 GEB-101 获得 NMPA 药物临床试验批准　用于治疗 TGFBI 相关的角膜营养不良

北京和香港 2026 年 7 月 2 日— 一直致力于开发基因组编辑治疗方案的临床阶段初创公司引正基因(GenEditBio)今日宣布，其首个体内基因组编辑研究药物 GEB-101 的药物临床试验申请（IND）获得中国国家药品监督管理局（NMPA）默示许可批准，将在中国及美国启动临床 I/II 期 CLARITY 试验，用于治疗 TGFBI 相关的角膜营养不良。GEB-101 已于 2025 年 12 月获得美国食品药品监督管理局（FDA）的 IND 许可。

CLARITY 是一项 I/II 期全球多中心临床研究，采用适应性无缝设计，旨在评估 GEB-101 在 TGFBI 相关的角膜营养不良患者中的安全性、耐受性及初步有效性。试验参与者的研究眼将接受单次角膜基质内注射给药，中国研究中心启动后，预计于今年内开始入组。

引正基因联合创始人兼董事长郑宗立博士表示：“获得国家药监的 IND 批准是对 GEB-101 临床前安全性和有效性数据的充份认可，也体现了临床试验设计的严谨性。GEB-101 采用基于 CRISPR 的基因组编辑工具，通过我们创新的蛋白递送载体（PDV）技术以核糖核蛋白(RNP)的形式递送到体内。这种治疗模式具有‘即用且快速降解’特性，可实现高效的靶组织编辑，并兼备低脱靶风险的良好安全性优势。”

引正基因联合创始人兼首席执行官竺添博士谈到：”GEB-101 先后获得中美两地药物临床试验批准，具备良好条件扩展全球布局，推动在更大患者群开展临床评估，同时为饱受角膜疾病困扰的患者带来创新药物的目标又迈进了一大步。我们非常期待与中美 CLARITY 临床试验的研究者及顶尖学术医疗机构开展紧密合作。”

关于 TGFBI 相关的角膜营养不良

TGFBI 相关的角膜营养不良（TGFBI-related corneal dystrophies）是由 TGFBI 基因突变引起的一组遗传性眼病。突变引起异常蛋白在角膜内持续沉积，造成角膜混浊。患者常见症状包括畏光，进行性视力下降，以及反复发作的角膜上皮糜烂引起的剧烈眼痛，严重影响生活质量。目前临床主要采用准分子激光治疗性角膜切削术（PTK）或角膜移植手术进行干预。但术后复发率高，且存在手术并发症风险，亟需创新的治疗方案。

关于 GEB-101

GEB-101 是引正基因全资研发的首创体细胞基因组编辑研究性药物，通过角膜基质内单次注射给药，从根源上治疗 TGFBI 基因相关的角膜营养不良。GEB-101 运用了 CRISPR-Cas 基因组编辑技术，靶向 TGFBI 基因中的特定位置，并由公司自主开发的工程化蛋白递送载体（PDV）实现精准体内递

送。GEB-101 正在研究者发起的临床试验中进行安全性和初步有效性评估。GEB-101 已在中国和美国获得监管机构的 IND 许可。

关于引正基因 GenEditBio

引正基因成立于 2021 年，总部位于中国香港，是一家临床阶段的基因治疗初创公司，致力于开发安全、精准、有效和可负担的体内基因组编辑治疗解决方案（简称「DNA 手术」），以填补临床医治未能满足的需求。公司的核心研发领域包括新型 Cas 核酸酶基因组编辑器的开发，以及利用脂质纳米颗粒（LNP）与工程化蛋白递送载体（PDV）实现安全和高效的体内递送。公司在香港、北京和波士顿设有研究实验室和办公室。引正基因由顶级生命科学投资者资助，包括启明创投、方圆资本、晟德药业、顺天医药、香港科技园创投基金等。如要更多信息，请到访公司网页 www.geneditbio.com。

联系我们(媒体)

geb.media@geneditbio.com

联系我们(投资者)

bd@geneditbio.com